



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/192967/2025
EMA/H/C/006427

Ezmekly (*mirdametinib*)

Información general sobre Ezmekly y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Ezmekly y para qué se utiliza?

Ezmekly es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de los neurofibromas plexiformes, tumores benignos (no cancerosos) que crecen a lo largo de los nervios en adultos y niños a partir de 2 años con neurofibromatosis de tipo 1 (NF1). Se utiliza cuando los tumores provocan síntomas (como dolor y debilidad) y no pueden extirparse mediante cirugía.

La neurofibromatosis es una enfermedad rara, y Ezmekly fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) el 25 de julio de 2019. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en el [sitio web](#) de la EMA.

Ezmekly contiene el principio activo mirdametinib.

¿Cómo se usa Ezmekly?

Ezmekly solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe iniciarlo un médico con experiencia en el diagnóstico y el tratamiento de pacientes con tumores causados por la NF1.

Ezmekly se presenta en cápsulas para tragar o en comprimidos dispersables que pueden dispersarse en agua. Se toma dos veces al día, con un intervalo de 12 horas. Los pacientes toman el medicamento durante 3 semanas y luego paran durante 1 semana. Este ciclo se repite hasta que la enfermedad empeore o los efectos adversos sean inaceptables.

Si desea más información sobre el uso de Ezmekly, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Ezmekly?

El principio activo de Ezmekly, el mirdametinib, es una pequeña molécula que actúa bloqueando una proteína denominada MEK que ayuda a controlar el crecimiento y la supervivencia de las células. En las personas con NF1, la proteína MEK es excesivamente activa, lo que da lugar al crecimiento de neurofibromas plexiformes en las células nerviosas. Al bloquear la MEK, el mirdametinib ayuda a reducir estos tumores.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



¿Qué beneficios ha demostrado tener Ezmekly en los estudios realizados?

En un estudio principal participaron 114 pacientes a partir de 2 años de edad con neurofibromas plexiformes causados por la NF1 cuyos tumores no pudieron extirparse mediante cirugía y causaron síntomas. En este estudio, Ezmekly no se comparó con ningún otro tratamiento ni con un placebo (un tratamiento ficticio).

El criterio principal de valoración de la eficacia fue la proporción de pacientes que respondieron al tratamiento con Ezmekly. Se consideró que los pacientes habían respondido cuando no había signos de tumores (respuesta completa) o si los tumores se redujeron en al menos un 20 % de tamaño (respuesta parcial) y la respuesta se mantuvo durante al menos 2 a 6 meses.

En niños, el 52 % (29 de 56) presentó una respuesta parcial. De ellos, el 90 % mantuvo su respuesta durante al menos 12 meses y el 48 % durante al menos 24 meses.

En adultos, el 41 % (24 de 58) presentó una respuesta parcial. De ellos, el 88 % mantuvo su respuesta durante al menos 12 meses y el 50 % durante al menos 24 meses.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Ezmekly?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Ezmekly se puede consultar en el prospecto.

En adultos, los efectos adversos más frecuentes de Ezmekly (pueden afectar a más de 1 de cada 3 pacientes) son dermatitis acneiforme (inflamación de la piel similar al acné), diarrea, náuseas, elevación de los niveles en sangre de la enzima quinasa creatina, dolor musculoesquelético (dolor en músculos y huesos), vómitos y fatiga. Los efectos adversos de Ezmekly pueden ser graves. Los más frecuentes (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son dolor abdominal, dolor musculoesquelético y oclusión venosa retiniana (bloqueo del flujo sanguíneo en una vena de la retina, la membrana sensible a la luz situada en la parte posterior del ojo).

En niños, los efectos adversos más frecuentes de Ezmekly (pueden afectar a más de 1 de cada 3 pacientes) son niveles sanguíneos elevados de quinasa creatina, diarrea, dermatitis acneiforme, dolor musculoesquelético, dolor abdominal, vómitos y dolor de cabeza. Los efectos adversos graves (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) incluyen dolor musculoesquelético.

¿Por qué se ha autorizado Ezmekly en la UE?

En el momento de la aprobación, solo se había autorizado un medicamento en la UE para los neurofibromas plexiformes, en niños a partir de tres años con NF1. Ezmekly ofrece una opción de tratamiento adicional y ha demostrado ser eficaz en niños de una edad ligeramente menor (dos años) y en adultos. Sin embargo, el alcance de sus beneficios es incierto, ya que el medicamento no se ha comparado con ningún otro tratamiento o placebo y los pacientes han sido objeto de seguimiento durante menos de 3 años.

En términos de seguridad, la mayoría de los efectos adversos observados con Ezmekly fueron leves o moderados. Sin embargo, algunos efectos adversos raros pero graves pueden afectar a los ojos y al corazón. Existen incertidumbres sobre si el medicamento podría dañar el ADN y contribuir potencialmente al desarrollo de cáncer. Esto se aborda mediante una advertencia adecuada en la información sobre el producto. También existen incertidumbres sobre la seguridad a largo plazo de Ezmekly.

A Ezmekly se le concedió una autorización condicional. Esto significa que ha sido autorizado sobre la base de datos menos exhaustivos que los requeridos normalmente porque satisface una necesidad

médica no cubierta. La Agencia considera que el beneficio de disponer antes de este medicamento supera los riesgos asociados al uso del medicamento mientras se esperan más pruebas.

Además, la compañía debe proporcionar más datos sobre Ezmekly. Debe presentar los resultados a largo plazo del estudio principal sobre la seguridad y la eficacia del medicamento, así como los resultados de un estudio que evalúe su seguridad cuando se utilice en la práctica clínica. La Agencia revisará anualmente la información nueva que está disponible.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Ezmekly?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Ezmekly se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Ezmekly se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Ezmekly se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Ezmekly

Puede encontrar más información sobre Ezmekly en la página web de la Agencia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/Ezmekly.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 07-2025.